



TRATAMENTO DA ACONDROPLASIA COM VOSORITIDA (VOXZOGO®)

Dra Sabliny Carreiro Ribeiro – CRMSP 232.144 RQE 1005921

Médica Endocrinologista Pediátrica pelo Grupo Hospitalar Conceição – Porto Alegre- RS

Título de Especialista pela Sociedade Brasileira de Pediatria em Endocrinologia Pediátrica

Médica Pediatra pela Pontifícia Universidade Católica do Rio Grande do Sul – PUCRS

Título de Especialista em Pediatria pela Sociedade Brasileira de Pediatria

Brasília, 13 de março de 2026.

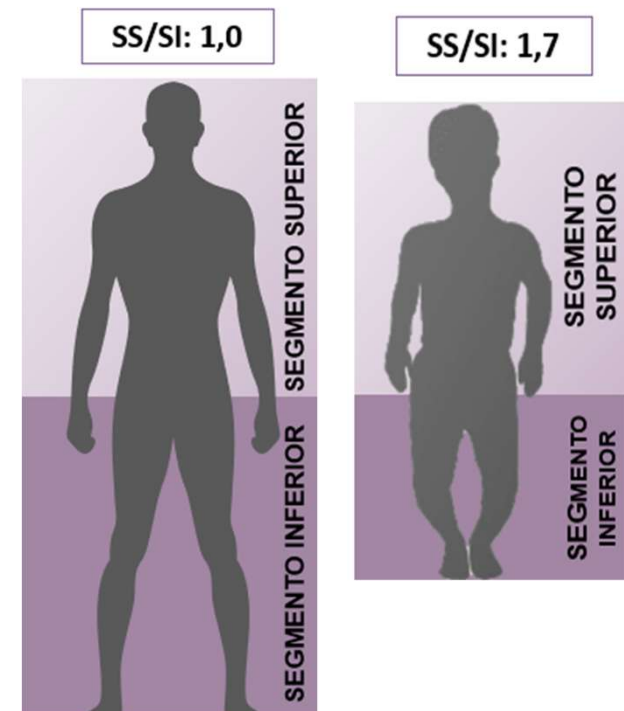
Transparência e Conflito de Interesses

- Esta apresentação não recebeu patrocínio, financiamento ou apoio da indústria farmacêutica.
- O conteúdo foi elaborado de forma independente, baseado em evidências científicas disponíveis e experiência clínica.
- Declaro ter recebido honorários prévios da BioMarin por participação em atividades científicas e educacionais.

Declaração de transparência conforme boas práticas de compliance e integridade científica.

Acondroplasia

- Doença rara 1:25.000, popularmente conhecida como nanismo
- Mutação no FGFR3: funcionamento anormal da regulação do crescimento ósseo
- Forma mais comum de baixa estatura desproporcional
- Complicações neurológicas, ortopédicas e respiratórias ao longo da vida
- Altura final (Estudo CLARITY)
 - 129,9 cm para homens (-6.10 SD)
 - 122,4 cm para mulheres (-6.11 SD)



Tratamento da acondroplasia

- Primeira terapia-alvo com eficácia e segurança comprovadas
- Única terapia disponível no Brasil (2021).
- Resultados significativos tanto nos ECR, como nos estudos “Real World”, incluindo a prática clínica no consultório.
- Aumento sustentado da velocidade de crescimento:
 - + 1.57cm/ano (Ensaio Clínico Randomizado fase 3)
 - + 1.91cm/ano (Revisão Sistemática e Metanálise –Real World, 2025)



1. Savarirayan R, et al. Safe and persistent growth-promoting effects of vosoritide in children with achondroplasia: 2-year results from an open-label, phase 3 extension study Genetics in Medicine, Volume 23, Issue 12, 2443 – 2447
2. Albuquerque ALB, Dacoregio MI, Rodrigues CG, Bertola DR, Zattar Ribeiro PV. Real-world outcomes of vosoritide in achondroplasia: A systematic review and meta-analysis of multinational clinical evidence. Genet Med. 2026 Mar;28(3):101670. doi: 10.1016/j.jgim.2025.101670. Epub 2025 Dec 19. PMID: 41424367.

Dra. Sablihy Carreiro

endocrinopediatra

CRM 232.144 RQE 1005921

2 Year(s) 2 Month(s) 0 Day(s)  Decimal Age : 2.17

	Hoover Fong	WHO
Height Centile :	44.83	< 0.02
Height SD Score :	-0.13	-4.94
71 cm		More ▾

46 meses de tratamento

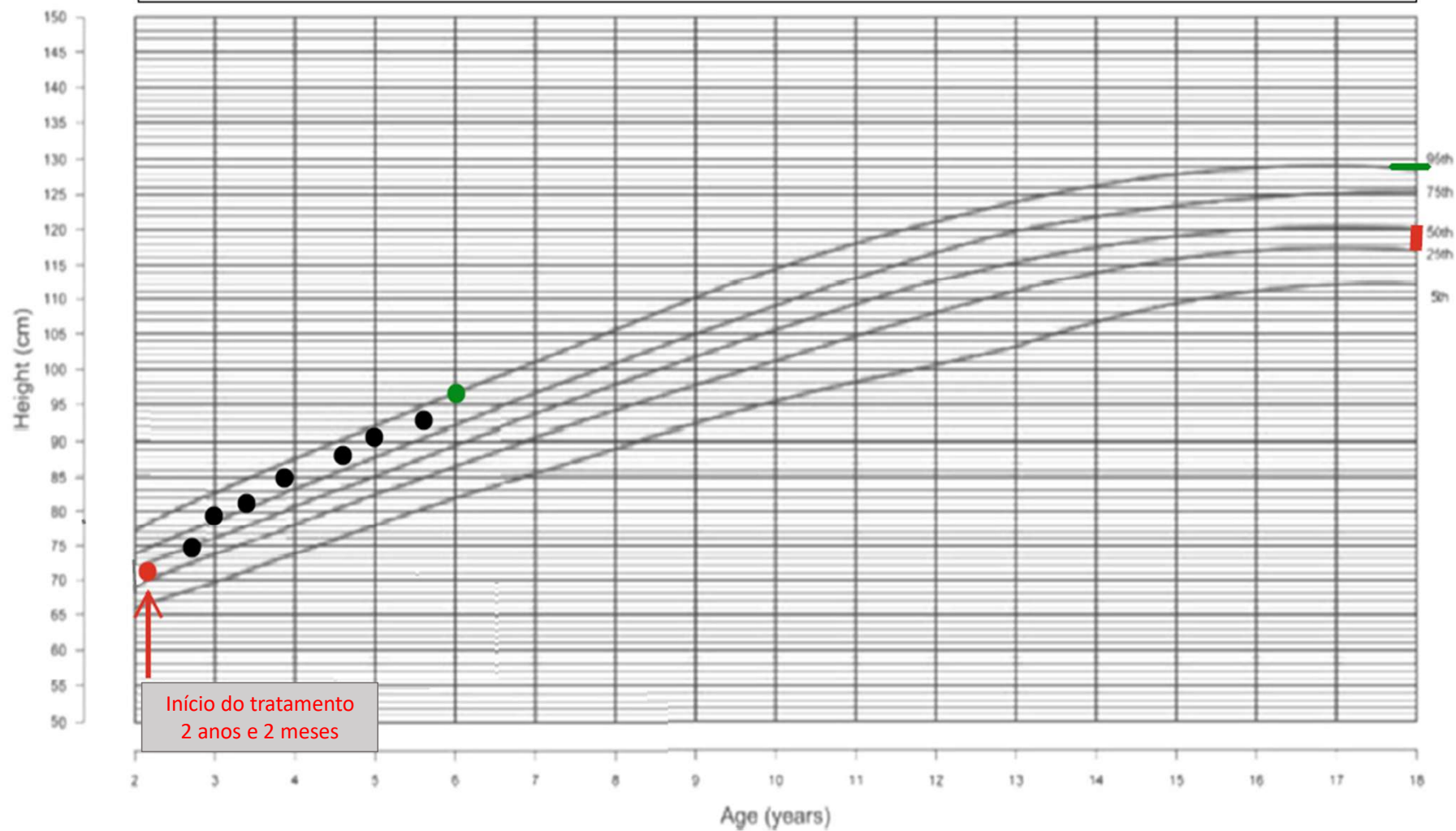
+ 25 cm comprimento

+ 18 cm envergadura

5 Year(s) 11 Month(s) 17 Day(s)  Decimal Age : 5.96

	Hoover Fong	WHO
Height Centile :	71 Month(s) Percentil: 95.73 --- 72 Month(s) Percentil: 94.84	< 0.02
Height SD Score :	71 Month(s) SDS: 1.72 -- 72 Month(s) SDS: 1.63	-3.7
96 cm		More ▾

GRÁFICO ESTATURA POR IDADE PARA MENINAS DE 2-16 ANOS COM ACONDRÓPLASIA - CLARITY



Dra. Sablihy Carreiro
endocrinopediatra
CRM 232.144 RQE 1005921



Imagens autorizadas pelos pais.

34 meses de tratamento

+ 18.5 cm comprimento (SDSh: 0.91 $\rightarrow$ 2.08 HF e OMS - 4.19 $\rightarrow$ -3.48)

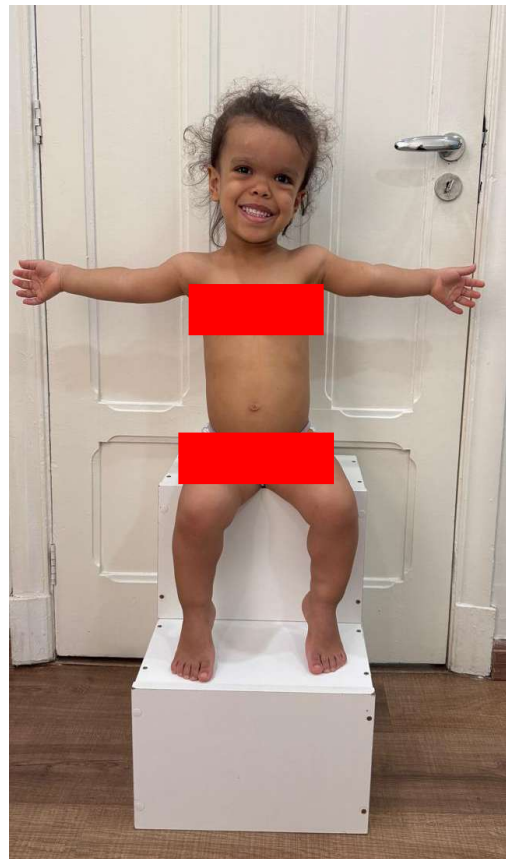
Redução da desproporcionalidade **0.72 $\rightarrow$ 0.65**

+ 19.9 cm envergadura

Dra. Sablihy Carreiro

endocrinopediatra

CRM 232.144 RQE 1005921



Cadeira adaptada utilizada
no início do tratamento

2 anos e 10 meses de
tratamento com Vosoritida

Imagens autorizadas pelos pais.

Dra. Sablihy Carreiro

endocrinopediatra

CRM 232.144 RQE 1005921



0 Year(s) 7 Month(s) 17 Day(s) Decimal Age : 0.63

	Hoover Fong	WHO
Height Centile :	27.43	< 0.02
Height SD Score :	-0.6	-4.53
More ▼		

16 meses de tratamento

+ 14.5 cm comprimento

+ 9.5 cm envergadura

Melhora do tônus

Melhora do desempenho na natação



1 Year(s) 11 Month(s) 0 Day(s) Decimal Age : 1.92

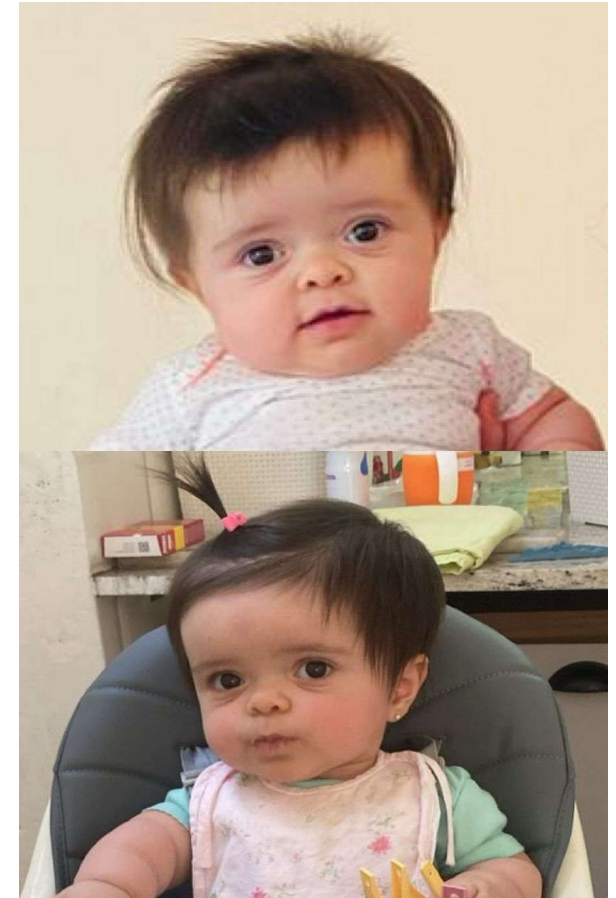
	Hoover Fong	WHO
Height Centile :	77.04	< 0.02
Height SD Score :	0.74	-4.26
More ▼		



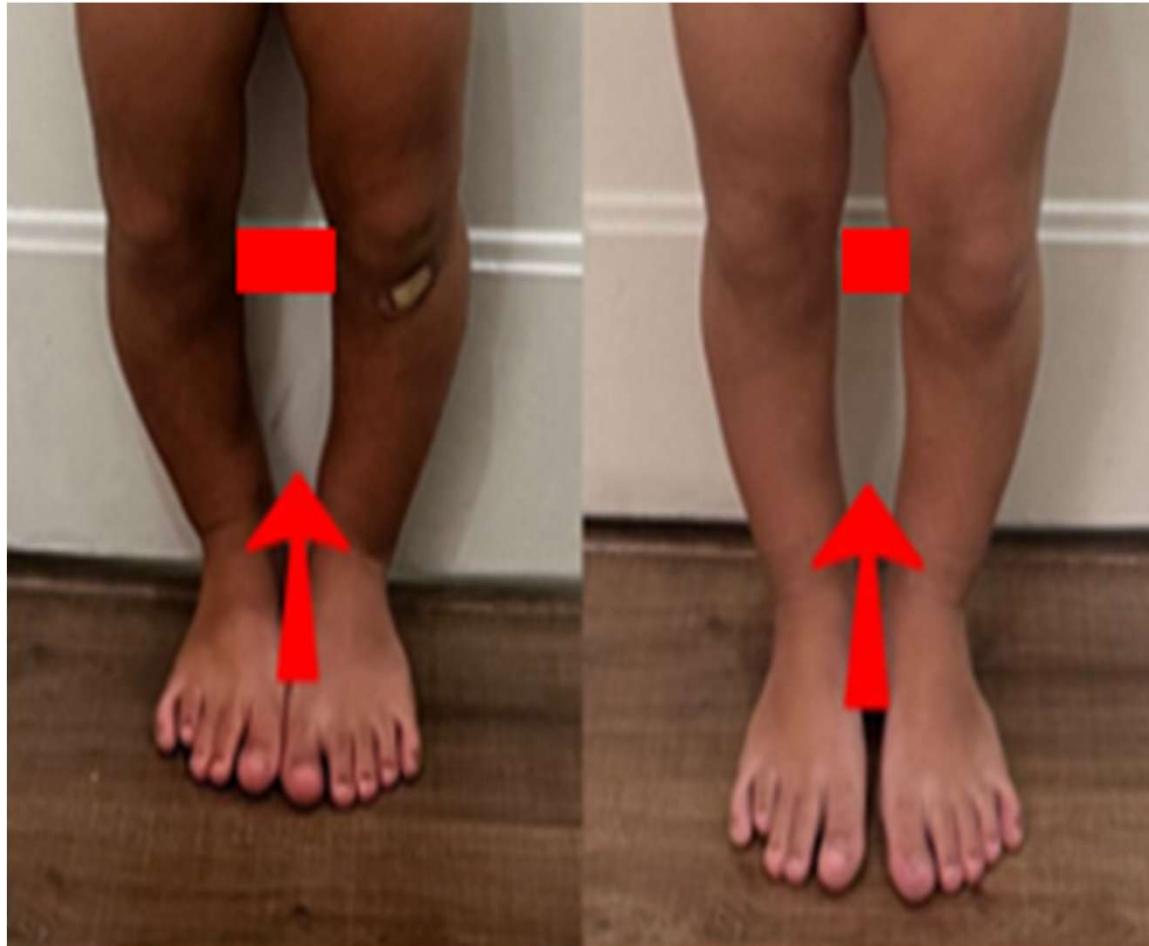
Aumento considerável da envergadura em 16 meses de tratamento → +9.5cm



Imagens autorizadas pelos pais.



Melhora fenotípica da face já nos primeiros 6 meses de tratamento



*Melhora de deformidades ósseas nos joelhos
Redução da distância intercondilar
(2 anos de tratamento)*

Imagens autorizadas pelos pais.



1 Year(s) 9 Month(s) 13 Day(s) Decimal Age : 1.79

	Hoover Fong	WHO
Height Centile :	21 Month(s) Percentil: 16.11 --- 22 Month(s) Percentil: 12.51	< 0.02
Height SD Score :	21 Month(s) SDS: -0.99 --- 22 Month(s) SDS: -1.15	-6.04
68 cm		More ▼



3 Year(s) 1 Month(s) 17 Day(s) Decimal Age : 3.13

15 meses de tratamento

VC: 7,2cm/ano

+ 9 cm comprimento

+ 6 cm envergadura

	Hoover Fong	WHO
Height Centile :	37 Month(s) Percentil: 48.4 --- 38 Month(s) Percentil: 42.86	< 0.02
Height SD Score :	37 Month(s) SDS: -0.04 --- 38 Month(s) SDS: -0.18	-5.32
77 cm		More ▼

CENTÍMETROS

Dra. Sablihy Carreiro
endocrinopediatra
CRM 232.144 RQE 1005921

**MAIOR INTEGRAÇÃO
SOCIAL**

INDEPENDÊNCIA

**ATENUAÇÃO DA
DESPROPORÇÃO
CORPORAL**

**MELHORA DA FADIGA
AO CAMINHAR**

**IMPACTO POSITIVO
NA SAÚDE EMOCIONAL**

**MELHORA DA ANATOMIA
CRÂNIOFACIAL**

DIGNIDADE

**QUALIDADE
DE VIDA**

**MAIOR
MOBILIDADE**

**REDUÇÃO DA
NECESSIDADE
DE ADAPTAÇÕES
AMBIENTAIS**

**MAIOR ALCANCE
FUNCIONAL**

**REDUÇÃO DOS CUSTOS COM
COMPLICAÇÕES EM SAÚDE A
LONGO PRAZO**



Atenuação da desproporcionalidade



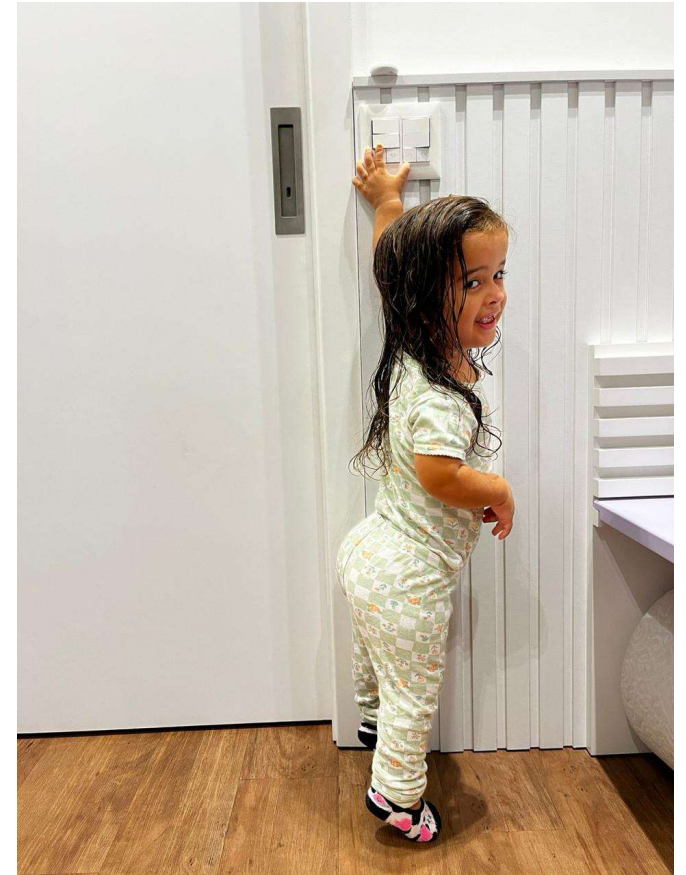
*Bike sem necessidade de adaptações
para membros*



Execução de atividades da vida diária



Imagens autorizadas pelos pais.



Independência, autonomia, melhora na mobilidade e no alcance

Imagens autorizadas pelos pais.

Mensagens finais

- Discutir o acesso ao tratamento da Acondroplasia no SUS não é apenas sobre centímetros. Cada centímetro significa conquistas muito maiores: **independência, dignidade, mobilidade, inclusão, qualidade de vida.**
- Os números mostram que a terapia funciona, mas o verdadeiro impacto não está apenas nas curvas de crescimento. Ele aparece na vida real dessas crianças.
- Durante décadas, a medicina só pode acompanhar essas crianças passivamente, hoje podemos tratá-las! A ciência já avançou, a terapia é eficaz e segura. A pergunta que fica não é mais científica – agora é uma decisão sobre o acesso.

Muito obrigada!

Contatos:

www.drasablinycarreiro.com.br
endocrinopediatra.sabliny@gmail.com
[@drasablinycarreiro](https://www.instagram.com/drasablinycarreiro)



#VOXZOGONOSUS